

ENSAYO CLINICO 2013 EN PACIENTES CON ESCLEROSIS LATERAL AMIOTROFICA (ELA) EN EL HOSPITAL CARLOS III DE MADRID

El Hospital Carlos III de Madrid está realizando un nuevo ensayo clínico en pacientes con ELA. El fármaco ensayado, **masitinib**, inhibe la enzima tirosinquinasa modulando la respuesta inflamatoria de los mastocitos. La neuroinflamación es un proceso presente en el proceso neurodegenerativo motoneuronal cuya contribución precisa a la patogéneidad está siendo dilucidada. Anteriormente se han ensayado fármacos con acción sobre otros posibles procesos patogénicos presentes en la motoneurona (excitotoxicidad, estrés oxidativo, apoptosis, afectación neurotrófica, o disfunción mitocondrial) sin resultados satisfactorios. **El masitinib es el primer fármaco de su clase en ser ensayado en la ELA.**

El estudio es un ensayo clínico internacional de **fase II, doble ciego aleatorizado y controlado con placebo** en pacientes que toman riluzol como terapia estándar, de **49 semanas**, que tiene como **objetivo evaluar la seguridad, toxicidad y posible eficacia del fármaco**. Su promotor es AB Science. El ensayo está aprobado por los comités de ética y ensayos clínicos y las autoridades sanitarias pertinentes.

Los criterios de inclusión más frecuentemente limitantes son un **tiempo de enfermedad menor de 36 meses**, una **capacidad vital forzada superior al 60%**, edad inferior a 80 años, y diagnóstico definitivo o probable según los Criterios Diagnósticos de El Escorial. Los criterios de exclusión más limitantes son la concomitancia de cáncer u otras enfermedades graves, y el uso necesario de gastrostomía o traqueostomía.

Los posibles candidatos deben firmar un consentimiento informado, tener una primera visita para evaluación de los criterios de inclusión y exclusión, y una semana después tener otra visita, basal, en la que reciben la medicación asignada aleatoriamente por sistema informático centralizado si cumplen criterios.

El fármaco se toma por vía oral cada 12 horas, en dosis diferentes según peso del paciente. En visitas de seguimiento, cada 4 semanas durante 12 semanas y cada 12 semanas durante 36 semanas, se evaluará la progresión de la enfermedad y la seguridad y toxicidad del fármaco. Estas últimas serán monitorizadas con mayor frecuencia con análisis clínicos rutinarios semanales inicialmente y mensuales después, y contactos telefónicos periódicos. Estos análisis pueden hacerse en el centro de salud más cercano al lugar de residencia del paciente.

Para mayor información, o solicitud de citación para posible inclusión, contactar con Dra. Teresa Salas (91 453 2595), ó D. Saúl Marín (91 453 2676), ela.hciiii@salud.madrid.org, o en: Unidad de ELA, Hospital Carlos III, c/Sinesio Delgado, 10. 28029 Madrid.

Madrid, 1 de abril de 2013